

Patiëntpreferentieonderzoek in Health Technology Assessment en besluitvorming

Citation for published version (APA):

Dirksen, C. D. (2013). *Patiëntpreferentieonderzoek in Health Technology Assessment en besluitvorming: van wikken, naar wegen*. Maastricht University.

Document status and date:

Published: 20/09/2013

Document Version:

Publisher's PDF, also known as Version of record

Please check the document version of this publication:

- A submitted manuscript is the version of the article upon submission and before peer-review. There can be important differences between the submitted version and the official published version of record. People interested in the research are advised to contact the author for the final version of the publication, or visit the DOI to the publisher's website.
- The final author version and the galley proof are versions of the publication after peer review.
- The final published version features the final layout of the paper including the volume, issue and page numbers.

[Link to publication](#)

General rights

Copyright and moral rights for the publications made accessible in the public portal are retained by the authors and/or other copyright owners and it is a condition of accessing publications that users recognise and abide by the legal requirements associated with these rights.

- Users may download and print one copy of any publication from the public portal for the purpose of private study or research.
- You may not further distribute the material or use it for any profit-making activity or commercial gain
- You may freely distribute the URL identifying the publication in the public portal.

If the publication is distributed under the terms of Article 25fa of the Dutch Copyright Act, indicated by the "Taverne" license above, please follow below link for the End User Agreement:

www.umlib.nl/taverne-license

Take down policy

If you believe that this document breaches copyright please contact us at:

repository@maastrichtuniversity.nl

providing details and we will investigate your claim.

Patiënt preferentieonderzoek in Health Technology Assessment en besluitvorming: van wikken, naar wegen

Hooggeleerde rector, College van Bestuur en vice-decaan van de Faculteit Health Medicine en Life Sciences, gewaardeerde collega's, familie en vrienden.

Dames en heren, ik val maar meteen met de deur in huis. Stel, u wilt een stedentrip boeken, maar u twijfelt over New York of San Francisco. U hebt al zoveel mogelijk informatie ingewonnen via uw reisorganisatie, bijvoorbeeld over de stad, de prijs, de accommodatie, en bezienswaardigheden. Toch zou u graag nog meer informatie hebben voordat u een keuze kunt maken. Om deze reden raadpleegt u 'Zoover', een website waarop beoordelingen worden verzameld van reizigers die u voorgingen. Op 'Zoover' treft u allerlei cijfers aan over een aantal aspecten van de reis, bijvoorbeeld de sfeer van de stad, de prijs/kwaliteit verhouding, en de accommodatie. Naar wens kunt u ook de beoordeling van een specifieke subgroep opvragen.

Behalve getalsmatige beoordelingen heeft u tevens de mogelijkheid om verhalende beoordelingen van individuele reizigers te lezen. Nadat u 'Zoover' heeft geraadpleegd voor beide steden weegt u de objectieve informatie van uw reisorganisatie, én de subjectieve beoordelingen van reizigers tegen elkaar af. Waarschijnlijk bent u nu beter in staat om uw keuze te maken. De meeste reisorganisaties erkennen het belang van deze beoordelingen, want 'Zoover' is meestal via een link direct toegankelijk. Zoover beoordelingen kunnen voor reisorganisaties zelfs een reden zijn om bepaalde reizen niet meer aan te bieden.

Het geschetste voorbeeld is een analogie op het thema van mijn rede. De gezondheidszorg is continue in ontwikkeling. Nieuwe geneesmiddelen komen op de markt, diagnostische testen worden geavanceerder, en zorgverleners blijven behandelingen en zorgtrajecten verder verbeteren. Maar niet alle innovaties worden zomaar toegelaten en ingevoerd. Keuzen ten aanzien van het aanbod in de gezondheidszorg worden voor een belangrijk deel ondersteund met behulp van 'objectieve' informatie uit gestandaardiseerd wetenschappelijk onderzoek. Hierbij heeft vooral medisch-wetenschappelijk onderzoek naar veiligheid en effectiviteit, maar in toenemende mate ook onderzoek naar kosten en kosteneffectiviteit, een sterke bewijskracht. Mijn stelling is dat we betere keuzen maken als we, naast deze objectieve informatie, ook wetenschappelijke onderzoeksresultaten naar *subjectieve* beoordelingen van patiënten meewegen. Ik noem dit onderzoek naar patiëntpreferenties.



Prof. Dr. Carmen Dirksen

Faculty of Health, Medicine and Life
Sciences

**Patiënt preferentieonderzoek in Health
Technology Assessment en besluitvorming:
van wikken, naar wegen**

Met de keuze van dit thema wil ik niet suggereren dat de mening van patiënten nu niet telt. Er is brede erkenning dat patiëntpreferenties in belangrijke mate bepalend zijn voor de acceptatie, en daarmee effectiviteit en kosteneffectiviteit van gezondheidszorgvoorzieningen. Patiënten worden in toenemende mate betrokken bij het inrichten en verbeteren van de gezondheidszorg. In de spreekkamer vindt gezamenlijke besluitvorming plaats tussen patiënt en zorgverlener. Patiënten of patiëntvertegenwoordigers nemen deel aan werkgroepen en commissies in verschillende fasen van vergoedingsbesluiten, en in de ontwikkeling van klinische praktijkrichtlijnen. Subsidieverstrekkers betrekken patiëntverenigingen bij het vaststellen van de relevantie en kwaliteit van onderzoeksvoorstellen en stimuleren onderzoekers om een patiëntvertegenwoordiger op te nemen in het projectteam. Mijn rede focust niet op dergelijke actieve participatievormen, maar op passieve participatie, een vorm van consultatie waarbij gepubliceerd wetenschappelijk onderzoek naar patiëntpreferenties wordt ingebracht ten behoeve van besluitvorming.

Het belang van patiëntpreferenties wordt breed erkend en het onderwerp is zeker actueel; onlangs nog verklaarde de heer Moerkamp, bestuursvoorzitter van het College voor Zorgverzekeringen, dat het patiënten belang eerder meegenomen had moeten worden in de discussie rondom de vergoeding van dure geneesmiddelen voor de ziekten van Pompe en Fabry. In welke vorm dat zou moeten werd hierbij niet duidelijk, maar mijn stelling is dat dit ook kan door wetenschappelijk onderzoek op het gebied van patiëntpreferenties te initiëren en bij het besluit te betrekken.

Toch even een soort 'disclaimer'. Ik ben een wetenschappelijk onderzoeker; mijn werk bestaat voor groot deel uit het verrichten van economische evaluaties en patiënt preferentieonderzoek. Ik sta als zodanig aan de zijlijn van besluitvorming. Wat betreft de rol van patiënt preferentieonderzoek in besluitvorming probeer ik zorgvuldig mijn visie neer te zetten. Ik ben me er echter van bewust dat besluitvormingsprocessen hun eigen dynamiek hebben, niet altijd strikt 'volgens het boekje' verlopen, en óók in ontwikkeling zijn.

Verder heb ik voornamelijk ervaring met preferentieonderzoek volgens de economische principes. Daarmee sluit ik andere definities, operationalisaties en meetmethoden zeker niet uit. Ik mis alleen de kennis en ervaring om deze volledig tot hun recht te laten komen.

De opbouw van mijn rede is als volgt. In het eerste deel maakt u kennis met de eerste drie begrippen uit de titel van mijn rede: 'preferenties', 'Health Technology Assessment' en 'besluitvorming'. Het tweede deel gaat 'van wikken, naar wegen', en heb ik rondom drie vragen georganiseerd. De *eerste* vraag is; waarom is onderzoek naar patiëntpreferenties relevant? De *tweede* vraag is; waarom wordt slechts beperkt gebruik gemaakt van resultaten uit onderzoek naar patiëntpreferenties? De *derde* vraag is; hoe kan onderzoek naar

patiëntpreferenties worden ingebed in Health Technology Assessment en besluitvorming? Ik richt me daarbij op twee typen besluitvorming: vergoedingsbesluiten en ontwikkeling van klinische praktijkrichtlijnen. Beiden dienen een ander doel: vergoedingsbesluiten reguleren de toelating van gezondheidszorgvoorzieningen tot het verzekerde pakket, met het doel om de kwaliteit van de gezondheidszorg te bewaken en deze betaalbaar en toegankelijk te houden. Klinische praktijkrichtlijnen zijn erop gericht om de kwaliteit van zorg voor patiënten te optimaliseren.

Preferenties

Wat verstaan we onder een 'preferentie'? Het Nederlandse woordenboek beschrijft het kort als: 'een voorkeur'. Het Engelse woordenboek omschrijft de term uitgebreider als 'het verkiezen van iets of iemand boven iets anders of anderen', of als 'een neiging tot kiezen'. De term preferentie verwijst over het algemeen naar een *relatieve wenselijkheid*.

Binnen de economie wordt de relatieve wenselijkheid getalsmatig uitgedrukt met het concept utiliteit, ofwel: nut. Een belangrijke aanname is dat we ons 'nut' proberen te maximaleren, zo hoog mogelijk proberen te maken. Nut kan daarbij gezien worden als welzijn, tevredenheid of geluk. We handelen daarbij als rationele, logisch redenerende individuen met kant-en-klare preferenties, die als het ware op tafel worden gelegd bij het nemen van besluiten.

Binnen de psychologie hangen preferenties nauw samen met het concept 'attitude', ofwel een neiging om positief of negatief te reageren op een persoon, een object, of een gebeurtenis. Binnen de geneeskunde is een preferentie gedefinieerd als de wenselijkheid van een gezondheidsuitkomst, -proces of behandelingsuitkomst. Een patiëntpreferentie wordt ook wel gezien als het 'meenemen van het patiënten perspectief', waarmee de term 'preferentie' wordt verbreed naar begrippen als 'behoefte', 'wens', 'overtuiging', 'verwachting' of 'ervaring'.

Er bestaan aldus verschillende definities van de term 'preferentie', en binnen deze definities worden weer verwijzingen gemaakt naar synonieme of gerelateerde begrippen.

Volgens de economische principes zijn er twee manieren waarop preferenties gemeten kunnen worden. De eerste manier is om keuzegedrag van individuen in een transparante markt te bestuderen. Als u bijvoorbeeld New York als uw vakantiebestemming kiest, dan prefereert u New York dus boven San Francisco. Als we dit principe toepassen binnen de gezondheidszorg, dan zouden we preferenties van patiënten simpelweg kunnen afleiden uit hun gezondheidszorgconsumptie. Maar deze redenering gaat veelal niet op. De gezondheidszorg is een 'imperfecte markt', met veelal onbekende prijzen en producten, en

onzekere uitkomsten. Dit betekent dat bestudering van zorgconsumptie van patiënten niet per definitie betrouwbare informatie biedt over hun preferenties.

Als alternatief wordt in de gezondheidszorg daarom veelvuldig gebruik gemaakt van methoden waarbij individuen wordt gevraagd om zich voor te stellen dat ze zich in een bepaalde situatie bevinden. Hoewel deze methoden als nadeel hebben dat er *hypothetische* in plaats van 'echte' preferentie informatie wordt verkregen, hebben ze ook een groot voordeel. *Juist* omdat het om hypothetische situaties gaat, kunnen we meerdere vragen stellen aan één individu, en kunnen allerlei manipulaties worden gedaan. Het levert dus méér preferentie informatie op.

Oók hypothetische preferenties meten we bij voorkeur met methoden waarin naar een keuze wordt gevraagd, omdat deze het beste aansluiten bij het opportuniteitskostenprincipe. Maar naast keuze-gebaseerde methoden zijn er ook andere methoden voorhanden, waaronder een waardering op een visueel analoge schaal, of het rangschikken van alternatieven. Op twee veelgebruikte, op keuze-gebaseerde methoden wil ik wat dieper ingaan, de 'Time Trade-Off' methode en keuze-experimenten.

De Time Trade-Off methode wordt veelvuldig gebruikt in economische evaluaties voor waardering van *gezondheidstoestanden*. Hierbij wordt aan individuen gevraagd om bijvoorbeeld te kiezen tussen 6 jaar leven in goede gezondheid, óf 10 jaar leven met ernstige astma. Ikzelf zou in dit voorbeeld kiezen voor 10 jaar leven met astma, omdat ik anders 4 levensjaren zou verliezen. In de Time Trade-Off methode wordt nét zo lang gevarieerd met het aantal gezonde levensjaren totdat iemand indifferent is, niet meer kan kiezen. Hoe minder levensjaren iemand bereid is om in te leveren, hoe hoger het nut is dat aan de gezondheidstoestand astma wordt toegekend. Dat nut noemen we in de gezondheidszorg wel *gezondheid gerelateerde kwaliteit van leven*.

Een methode die aan belangstelling heeft gewonnen is het keuze-experiment. Keuze-experimenten zijn gebaseerd op de aanname dat gezondheidszorgprocessen en -uitkomsten kunnen worden gedefinieerd in termen van kenmerken en niveaus van deze kenmerken. We hebben bijvoorbeeld een keuze-experiment uitgevoerd naar de nazorg voor borstkankerpatiënten. Aan patiënten werd een aantal keuzesets voorgelegd waarin verschillende varianten van nazorg werden beschreven. Bijvoorbeeld of de patiënt contact heeft met de arts of verpleegkundige, of het contact telefonisch is of 'life', en of er een informatiebijeenkomst wordt georganiseerd. Op basis van de keuzen die patiënten maakten hebben we een rekenmodel ontwikkeld. Uit deze studie kwam onder anderen naar voren dat patiënten verschillende preferenties hebben ten aanzien van de nazorg. Samen met een

kosteneffectiviteit en tevredenheid studie is deze kennis input geweest voor aanpassing van de richtlijn voor borstkanker. Een keuze-experiment is een flexibele methode die zowel voor waardering van gezondheidszorgvoorzieningen alsook voor gezondheidstoestanden kan worden toegepast.

Besluitvorming

Ik richt me vandaag op twee typen besluitvorming: vergoedingsbesluiten en ontwikkeling van klinische praktijkrichtlijnen. De procedures daarvoor zijn verschillend, en maken deels gebruik van ander wetenschappelijk bewijs en overwegingen. Ik zal beide procedures kort toelichten, alsook de rol van patiënt preferentieonderzoek. Ik richt me hierbij op de Nederlandse situatie, hoewel een deel ook van toepassing is op andere landen.

Vergoedingsbesluiten

In Nederland adviseert het College voor Zorgverzekeringen over toelating van voorzieningen tot het basispakket. Vergoedingsbesluiten worden gebaseerd op vier pakketprincipes: noodzakelijkheid, effectiviteit, kosteneffectiviteit en financiële uitvoerbaarheid. Hoewel de pakketprincipes breed kunnen worden toegepast, is de huidige praktijk dat deze alleen systematisch worden gebruikt bij geneesmiddelen. De besluitvorming bestaat daarbij uit twee fasen. De eerste fase betreft een *inhoudelijke toetsing* van het geneesmiddel door de 'Wetenschappelijke Adviesraad', op basis van het beschikbare wetenschappelijk onderzoek, in het Engels 'Evidence' genoemd, naar effectiviteit, kosteneffectiviteit en budgetimpact. Als het oordeel positief is, volgt een advies tot opname in het verzekerde pakket. Als er wel sprake is van een meerwaarde maar de kosteneffectiviteit staat bijvoorbeeld ter discussie, volgt een tweede fase. Deze fase betreft een *brede maatschappelijke toetsing* door de 'Adviescommissie Pakket' waarin aspecten zoals rechtvaardigheid en solidariteit aan bod kunnen komen.

Health Technology Assessment en economische evaluaties

Wetenschappelijk onderzoek naar de kosteneffectiviteit van een geneesmiddel vormt belangrijke input voor vergoedingsbesluiten. Deze informatie wordt verkregen uit gezondheid-economische evaluaties. Economische evaluaties vormen een belangrijk onderdeel binnen het bredere vakgebied Health Technology Assessment en zijn bedoeld om keuzen binnen, een door een budget beperkte, gezondheidszorg te ondersteunen. In economische evaluaties vindt een vergelijking plaats tussen twee of meer

gezondheidszorgvoorzieningen, waarbij het verschil in kosten tussen voorzieningen wordt afgezet tegen het verschil in effecten. Het resultaat is een kosteneffectiviteit ratio, die bijvoorbeeld aangeeft hoeveel extra kosten er gemoeid zijn met één effecteenheid winst.

In economische evaluaties gaat het om een afweging tussen kosten én effecten. In principe zijn daarbij allerlei soorten effecten denkbaar, zoals het voorkómen van een hartaanval of verminderen van het aantal astma aanvallen. Hoewel deze ziekte-specifieke uitkomstmaten zéér informatief zijn in medisch-wetenschappelijk onderzoek, zijn ze in de context van economische evaluaties minder geschikt. We weten namelijk niet of het voorkómen van een hartinfarct *meer waard* is dan het voorkómen van een astma aanval.

Om deze reden maken we in economische evaluaties bij voorkeur gebruik van een gestandaardiseerde uitkomstmaat: de 'Quality Adjusted Life Year', voor *kwaliteit van leven gecorrigeerde levensjaren*. Een QALY combineert kwantiteit van leven, met het 'nut', ofwel de kwaliteit van die levensjaren. Met de QALY als uitkomstmaat in economische evaluaties kunnen we allerlei behandelingen voor verschillende aandoeningen en patiëntengroepen direct met elkaar vergelijken. In Nederland hanteren we een bandbreedte voor de *waarde* van een QALY: deze ligt *in principe* tussen de 10.000 euro voor aandoeningen met een lage ziektelast en 80.000 euro voor aandoeningen met een hoge ziektelast, maar dit is geen vaststaand gegeven.

De Q in de QALY staat dus voor 'kwaliteit van leven'. Maar hoe komen we aan het kwaliteit van leven getal? Economisch evaluatie onderzoek wordt veelvuldig gekoppeld aan medisch-wetenschappelijk onderzoek, waarbij patiënten wordt gevraagd om extra vragenlijsten in te vullen. Een veel gebruikt instrument is bijvoorbeeld de EuroQol. De EuroQol bestaat uit vijf dimensies en iedere dimensie kan op drie niveaus worden gescoord: geen problemen, enige problemen en ernstige problemen. Met dit instrument zijn 243 verschillende gezondheidstoestanden te beschrijven, maar deze geven nog geen 'preferentie' informatie. We weten niet of iemand die ernstige problemen heeft met mobiliteit, een lagere kwaliteit van leven heeft dan iemand met ernstige pijn. Daarvoor hebben we *waarderingen* van gezondheidstoestanden nodig.

Nu heeft de EuroQol naast de 5 dimensies ook een visueel analoge schaal waarop patiënten kunnen aangeven hoe goed of hoe slecht ze hun eigen gezondheidstoestand *waarderen*. Echter, deze informatie gebruiken we niet; in economische evaluaties gebruiken we preferenties van de algemene populatie.

Om populatie preferenties te verkrijgen is aan een representatieve steekproef uit de algemene populatie gevraagd om *hypothetische* EuroQol gezondheidstoestanden te *waarderen* met de Time Trade-Off methode. Met behulp van een rekenmodel kunnen we nu aan elke mogelijke gezondheidstoestand op de EuroQol een kwaliteit van leven score toekennen. Een vergelijkbare procedure is ook toegepast bij andere kwaliteit van leven instrumenten.

Er zijn drie belangrijke argumenten aangedragen voor het gebruik van populatiepreferenties. Eén argument is dat in veel landen de gezondheidszorg wordt gefinancierd uit gemeenschapsgelden en dat de gemeenschap ook de consequenties draagt van beleidsmaatregelen, bijvoorbeeld als een voorziening uit het pakket wordt gehaald. De gemeenschap zou dan ook medebepalend moeten zijn voor beleid. Het tweede argument is dat met deze werkwijze het *eigen belang* van patiënten wordt uitgeschakeld; de algemene populatie is onwetend wat betreft de eigen toekomstige gezondheid en kent de achtergrond van de patiënt en de ziekte niet. Deze neutrale positie zou een rechtvaardige verdeling van middelen bevorderen. Een ander argument is dat onderzoek heeft uitgewezen dat patiënten systematisch hogere kwaliteit van leven waarden toekennen aan hun gezondheidstoestand dan de algemene populatie, omdat patiënten aan hun gezondheidstoestand wennen. Dit fenomeen wordt adaptatie genoemd. Hoewel adaptatie feitelijk een overlevingsmechanisme is, is het binnen de context van economische evaluaties om twee redenen ongewenst genoemd. Ten eerste houdt óók een geadapteerde patiënt een zorgbehoefte en kan deze als zodanig niet worden onthouden van gezondheidszorg. Ten tweede laten hogere kwaliteit van leven waarden minder ruimte voor verbetering, met als gevolg dat de kosteneffectiviteitsratio ongunstiger wordt. Het gebruik van populatie preferenties zou dus, ironisch genoeg, in het voordeel van patiënten zijn.

Economisch evaluatieonderzoek maakt dus *geen* gebruik van preferenties van patiënten. Recent hebben we een aantal documenten bestudeerd waarin de beoordelingsprocedure voor geneesmiddelen staat beschreven. Deze documenten maken geen expliciete verwijzing naar gebruik van patiënt preferentieonderzoek. Wel wordt onderzoek naar kwaliteit van leven, tevredenheid en patiëntervaringen als *mogelijke* input gezien bij een eventuele *bredere beschouwing* van het pakketprincipe effectiviteit. Ook een bestudering van een aantal specifieke geneesmiddelen dossiers maakte duidelijk dat patiënt preferentieonderzoek niet systematisch wordt ingebracht.

Richtlijnontwikkeling

Klinische praktijkrichtlijnen zijn documenten met vakinhoudelijke aanbevelingen voor zorgverleners, met het doel om de zorg voor patiënten te optimaliseren. Klinische praktijkrichtlijnen worden zoveel mogelijk onderbouwd met resultaten uit wetenschappelijk onderzoek, dit wordt wel 'Evidence-Based' Richtlijnontwikkeling genoemd. Veelal wordt onderzoek naar veiligheid en effectiviteit bij de richtlijnontwikkeling betrokken, en in toenemende mate ook onderzoek naar kosteneffectiviteit. In Nederland zijn meerdere organisaties betrokken bij de richtlijnontwikkeling, zoals het CBO, het Nederlandse Huisartsen Genootschap, de Orde van Medisch Specialisten, en het Trimbos Instituut, maar ook specifieke organisaties zoals de Vereniging van Integrale Kankercentra. Klinische praktijkrichtlijnen worden volgens een vaste systematiek ontwikkeld in consensusgroepen, waarbij wetenschappelijke onderzoeksresultaten op hun waarde worden beoordeeld, geïnterpreteerd en vertaald naar concrete aanbevelingen. In toenemende mate wordt daarvoor de GRADE systematiek gebruikt.

Bij het proces van richtlijnontwikkeling wordt doorgaans gebruik gemaakt van drie soorten kennis; ten eerste de beschikbare kennis en wetenschappelijk bewijs, ten tweede de klinische ervaring en preferenties van zorgverleners en ten derde ervaringen en preferenties van patiënten.

In de herziene versie van de 'Richtlijn voor richtlijnen' wordt aanbevolen dat het patiënten perspectief onderdeel uitmaakt van de richtlijn, waarbij gebruik gemaakt *kan* worden van onderzoek naar het patiënten perspectief. Recente bestudering van een aantal specifieke richtlijnen maakte echter duidelijk dat onderzoek naar patiëntpreferenties nog beperkt wordt meegenomen, en meestal betrekking heeft op kwaliteit van leven.

Het belang van patiëntpreferenties

Onderzoek naar patiëntpreferenties wordt dus niet per definitie uitgesloten als mogelijke input voor besluitvorming. Echter, het gebruik ervan is nog zeer beperkt en zeker niet systematisch. Toch denk ik dat er voldoende argumenten zijn die pleiten vóór systematisch gebruik van deze resultaten.

Ten eerste heeft de QALY zoals die nu wordt gebruikt geen theoretische basis. De focus op gezondheid als maximand en het gebruik van populatiepreferenties zijn schendingen van de beginselen van de economische welvaartstheorie. Deze stelt onder anderen dat preferenties van individuen *zelf* de basis vormen van individueel welzijn, en niet preferenties van de algemene populatie *over andere* individuen. Verder omvat welzijn meer dan alleen

gezondheid. Sterker nog, binnen de welvaartstheorie is het toegestaan dat we onze gezondheid afwegen tegen andere factoren, mits dit het welzijn van het individu bevordert.

Een theoretische discussie over patiëntpreferenties is zinloos als onderzoek zou uitwijzen dat het niet uitmaakt wiens preferenties worden gebruikt. Maar het maakt wél uit. Een tweede argument om patiëntpreferenties mee te nemen is dat patiënten hun eigen gezondheid anders waarderen dan de algemene populatie en ze, behalve hun gezondheid, ook nog *andere* dingen waarderen.

Patiënten hebben ervaring met hun aandoening. De algemene populatie weet echter niet over welke aandoening het gaat, maar beoordeelt een algemene gezondheidstoestand beschrijving. Een dergelijke beperkte beschrijving mist uiteraard belangrijke details. Daarnaast kan een algemene populatie zich niet goed voorstellen hoe het is om te leven met een ziekte. Stelt u zich bijvoorbeeld voor dat u vanaf uw middel verlamd bent en gebonden bent aan een rolstoel. De meesten van u zullen een relatief lage kwaliteit van leven score aan deze gezondheidstoestand toekennen. Een verklaring hiervoor is dat mensen die *geen* ervaring hebben met deze lichamelijke beperking, alleen focussen op de negatieve aspecten, en vooral het *verlamd raken* beoordelen, en niet zozeer het *verlamd zijn* en het *leren leven met deze lichamelijke beperking*. Om aan dit probleem tegemoet te komen is wel gesuggereerd om de populatie beter te informeren over adaptatie. Maar als we zo ons best moeten doen om ons in te leven in patiënten, waarom *vragen* we het dan niet gewoon aan patiënten?

Verder is uit onderzoek is gebleken dat patiënten niet alleen maar *waarde hechten* aan gezondheidsuitkomsten, maar ook aan het proces van zorg of uitkomsten breder dan gezondheid. Wat betreft het proces van zorg kan het voor u uitmaken of u met uw klacht naar de huisarts kunt of toch naar het ziekenhuis moet, of dat u een geneesmiddel in tabletvorm, of als een onderhuidse injectie krijgt toegediend. Nu is het proces in zichzelf niet relevant, maar wél wat patiënten daarvan vinden. Procesaspecten gaan echter niet mee in de populatiewaarderingen.

Hetzelfde geldt voor uitkomsten breder dan gezondheid zoals autonomie, zelfredzaamheid, veiligheid, en waardigheid, ook wel welzijnseffecten genoemd. Ook deze uitkomsten krijgen geen aandacht bij de waardering door de populatie. Zorgverleners maken echter dagelijks mee dat patiënten zowel het proces van zorg als bredere uitkomsten *wel* meewegen in hun beslissingen. Dit pleit ervoor om breder te kijken dan alleen naar gezondheid.

Gerelateerd aan het voorgaande zijn, ten derde, niet alle zorginnovaties gericht op het bereiken van gezondheidswinst, maar op het bevorderen van bijvoorbeeld

patiënttevredenheid en welzijn. Het effect bijvoorbeeld van optimalisatie van nazorg voor borstkankerpatiënten of de zorg voor ouderen is niet goed in QALYs uit te drukken. Omdat het gebruik van andere uitkomstmaten niet conform de richtlijnen is, worden QALYs dan toch maar krampachtig in een economische evaluatie opgenomen. Met als resultaat een zeer klein verschil in QALYs met een grote mate van onzekerheid. Op zich hoeft dat in economische evaluaties geen probleem te zijn, omdat de conclusie dan op het kostenverschil kan worden gebaseerd. Maar de vraag is of het kostenaspect dan leidend mag zijn. In dergelijke situaties lijkt het legitiem om bredere uitkomsten bij de besluitvorming te betrekken.

Tot slot vergroot het meenemen van onderzoek naar patiëntpreferenties de legitimiteit van de te nemen beslissingen. Patiënten zijn de direct betrokkenen in de gezondheidszorg, zij zijn degenen die het proces *ervaren* en de uitkomsten *aan den lijve ondervinden*. Het is dan ook vanuit een ideologisch standpunt juist om hen een stem te geven in de besluitvorming. Hoewel aan deze ideologie al deels wordt vormgegeven door actieve participatievormen, past ook de passieve participatie binnen dit principe. Resultaten uit onderzoek naar patiëntpreferenties kunnen mogelijk bijdragen aan een verdere professionalisering en versterking van actieve patiënten participatie.

Barrières

Na mijn enthousiaste opsomming van argumenten denkt u misschien dat integratie van patiënt preferentieonderzoek in onderzoek en besluitvorming een fluitje van een cent is. Niets is minder waar. De meerwaarde van onderzoek naar patiëntpreferenties wordt breed erkend, maar ook stevig bekritiseerd. Dit wijst op de aanwezigheid van een aantal barrières.

Een belangrijke barrière in de context van vergoedingsbesluiten is het traditionele normatieve kader dat wordt gehanteerd voor gezondheid-economische evaluaties én de standaardisatie van methoden en technieken, welke zijn vastgelegd in de richtlijnen voor farmaco-economisch onderzoek. Daarnaast is ook de besluitvorming gestandaardiseerd op de vier pakketprincipes. Onderzoek naar patiëntpreferenties is nog niet gestandaardiseerd en roept nog veel vragen op, zoals: Welke bredere aspecten nemen we dan mee? Hoe meten en waarderen we dat? Wat willen we daarvoor betalen? En wat zijn de effecten in termen van een efficiënte en rechtvaardige verdeling van zorg? In hoeverre compliceert het meenemen van patiënt preferentieonderzoek de besluitvorming? Dit zijn allemaal legitieme vragen waar nu nog geen helder antwoord op is.

De economische theorie gaat uit van een goed geïnformeerde, rationele besluitvormer met kant-en-klare preferenties. Onderzoek heeft echter consistent aangetoond dat deze aannames worden geschonden. Preferenties worden veelal pas gevormd tijdens een keuzesituatie, waarbij we de informatie en onze kennis niet volledig benutten en varen op intuïtie. Ook speelt context een rol; waar we zijn, op welk moment, in welke hoedanigheid en met wie. Ook blijken preferenties gevoelig voor de wijze waarop een vraag gesteld wordt; exact dezelfde uitkomst kan bijvoorbeeld worden omschreven als een kans op sterfte of een kans op overleving. Het gevolg van dit alles is dat preferenties niet stabiel blijken. Dit wetend, wordt de waarde van onderzoek naar patiëntpreferenties wel bekritiseerd.

Binnen de economische discipline is er een heldere definitie van een preferentie. Toch bestaat er veel verwarring over deze term. In economische evaluaties maken we expliciet onderscheid tussen het *identificeren* van relevante uitkomsten, het *meten* daarvan, en het *waarderen* ervan. Een inventarisatie van bijvoorbeeld 'behoeften' en 'ervaringen' valt volgens de economische definitie onder identificatie. Een kwaliteit van leven instrument, of het meten van een bredere uitkomst zoals 'zelfredzaamheid', betreft nog geen waardering. Begrippen als 'attitude' of 'overtuigingen' informeren een preferentie, maar worden zelf niet als een preferentie gezien. Hoewel al deze begrippen uiteraard niet *waardevrij* zijn, zijn het geen preferenties in economische zin. Het gebrek aan eenheid in taal en methoden maakt het moeilijk om patiënt preferentieonderzoek te vinden, op waarde te beoordelen en samen te vatten. Ook is er niet altijd patiënt preferentieonderzoek verricht, en als het al wordt gevonden sluiten de resultaten niet altijd aan op de informatiebehoefte.

Ook wordt gesteld dat patiënt preferentieonderzoek een beperkte bewijskracht heeft. Ten eerste omdat de resultaten als 'softe' gegevens worden gezien, en ten tweede omdat patiëntpreferentie informatie niet altijd wordt verzameld in de context van een gerandomiseerd onderzoek, waarbij patiënten door het lot worden toegewezen aan een behandeling.

Daarnaast zijn sommige zorgverleners en richtlijnontwikkelaars er niet van overtuigd dat resultaten uit patiënt preferentieonderzoek geschikt zijn om een individuele behandelkeuze te ondersteunen; ze betwijfelen of informatie over patiëntpreferenties wel onderdeel moet worden van richtlijnen die toch al complex en uitgebreid zijn.

Voorwaarden voor gebruik

Sommige van de genoemde barrières zijn moeilijk weg te nemen, zoals in geval van normatieve uitgangspunten. Een aantal barrières kan echter worden gezien als noodzakelijke voorwaarden voor een succesvolle integratie van patiënt preferentieonderzoek in onderzoek en beleid.

Door meerderen is de behoefte geuit om te komen tot een taxonomie, een classificatie waarin de verschillende termen, conceptualisaties en relaties daartussen worden verduidelijkt. Dit biedt onderzoekers een praktisch handvat om concepten te koppelen aan de juiste meetmethode, en biedt zorgverleners, beleidsmakers, en patiëntvertegenwoordigers een basis voor hun specifieke informatiebehoefte, gegeven een specifieke besluitvormingscontext. Binnenkort starten we in het kader van een ZonMw studie met het opstellen van een dergelijke taxonomie.

Om resultaten uit patiënt preferentieonderzoek succesvol te kunnen integreren in besluitvorming zal duidelijk moeten worden *waar* patiënten iets van mogen vinden. Dit is een eerste belangrijke stap richting standaardisatie van onderzoek naar patiëntpreferenties, en deze stap staat *in principe* los van de methodologische en praktische vragen die leven. Het vaststellen van de evaluatieve ruimte vereist niet zozeer wetenschappelijk-*inhoudelijk* onderzoek als wel discussie met verschillende belanghebbenden. Ook lijkt maatschappelijk draagvlak belangrijk. Omdat vergoedingsbesluiten en klinische praktijkrichtlijnen elk een ander doel dienen is het mogelijk dat hierover verschillend wordt gedacht. Aan de andere kant gaan er steeds meer geluiden op dat beide werelden meer gekoppeld moeten worden.

Indien er brede steun is voor het gebruik van patiënt preferentieonderzoek en de evaluatieve ruimte wordt verbreed naar aspecten breder dan gezondheid, dan is standaardisatie uiteraard wenselijk. Vanuit de kwaliteit van zorg literatuur zijn wat betreft procesaspecten wel praktische handvatten beschikbaar. Hetzelfde geldt voor uitkomsten breder dan gezondheid, hiervoor zijn al verschillende theorieën en concepten beschikbaar, die een basis voor standaardisatie kunnen bieden. Richtlijnen voor patiënt preferentieonderzoek zouden deze standaardisatie kunnen consolideren. Daarin kunnen aspecten als het design, de populatie, de evaluatieve ruimte, waarderingsmethoden, analyse en rapportage-eisen worden vastgelegd. Een dergelijke richtlijn zou behulpzaam zowel bij de opzet, als beoordeling van de kwaliteit van patiënt preferentieonderzoek.

Een werkzame manier om onderzoek naar patiëntpreferenties te bevorderen en daarmee een wetenschappelijke basis aan te leggen voor gebruik in besluitvorming, is om het in gangbaar wetenschappelijk onderzoek te integreren. Dat gebeurt nu al in niet gesubsidieerd

onderzoek, zoals hier in het MUMC+, maar zou ook door subsidieverstrekende organisaties gestimuleerd kunnen worden. Ik wil hierbij benadrukken dat preferentieonderzoek geen 'conditio sine qua non' moet worden. Onderzoek naar patiëntpreferenties is alleen zinvol als er vragen leven op dat gebied, en als de verwachting is dat er sprake is van preferentie gevoeligheid bij een behandelkeuze.

Ten behoeve van vergoedingsbesluiten hebben besluitvormers uiteindelijk baat bij een instrument dat helpt bij integreren van patiënt preferentieonderzoek in besluitvorming. In het kader van een lopende ZonMw studie proberen we daar de eerste stappen in te nemen, al realiseren we ons steeds meer dat dit het eindpunt, en niet het startpunt kan zijn.

Richtlijnontwikkelaars zijn gebaat bij een hulpmiddel om preferentie-gerelateerd onderzoek te vinden, op waarde te beoordelen en samen te vatten. Voor het gangbare wetenschappelijk onderzoek beschikken we over geaccepteerde methoden, maar een dergelijke methodiek is nog niet beschikbaar voor patiënt preferentieonderzoek. Er zijn overigens al wel enkele initiatieven hiertoe gedaan. Door de Orde van Medisch Specialisten en het Nederlands Huisartsen Genootschap is recent een zoekstrategie van de Schotse richtlijnontwikkelaar geoptimaliseerd, en getest, die wij als basis zullen gebruiken bij ontwikkeling van de taxonomie. Het THETA instituut in Toronto heeft in de context van behandeling van chronisch obstructief longlijden een zoekstrategie naar patiënt preferentieonderzoek uitgezet, en de resultaten succesvol samengevat. De GRADE systematiek lijkt verder een basis te kunnen bieden wat betreft de vertaling van patiënt preferentieonderzoek naar concrete aanbevelingen.

Ten behoeve van richtlijnontwikkeling is het belangrijk om eventuele misverstanden weg te nemen wat betreft het gebruik van patiëntpreferentie informatie. Deze is niet bedoeld om patiënten in de spreekkamer een dwingende keuze op te leggen op basis van 'gemiddelde' preferenties van andere patiënten. De gemiddelde patiënt bestaat niet; dat geldt voor klinische uitkomsten, maar óók voor preferenties. Patiëntpreferentie informatie is bedoeld om richtlijnontwikkeling te informeren, zorgverleners te ondersteunen in het verstrekken van informatie aan patiënten, en patiënten te helpen bij het vormen van hun eigen, individuele preferenties.

Tot slot. We vragen patiënten in het kader van gangbaar wetenschappelijk onderzoek het hemd van hun lijf. De vraag *wat ze ervan vinden* wordt echter nog beperkt gesteld. Als we het al vragen vindt deze informatie nog nauwelijks de weg naar besluitvorming. Mijn hoop is dat dat we naar een patiëntgerichte Health Technology Assessment en besluitvorming toe

kunnen werken, waarbij patiënt preferentieonderzoek als volwaardige 'evidence' wordt beschouwd. Niet meer wikkelen, maar wegen dus!

Wat betreft mijn plannen voor onderzoek hoop ik de komende jaren een bijdrage te leveren aan het creëren van deze voorwaarden. Ik realiseer me daarbij dat er nog een lange weg te gaan is, en dat al deze plannen tijd, steun en samenwerking vergen. Daarnaast heb ik een aantal gerelateerde onderzoeksplannen. Optimalisatie en standaardisatie van het meten van preferenties krijgt mijn aandacht, in het bijzonder onderzoek naar framing effecten, standaardisatie van keuze-experimenten en onderzoek naar de transfereerbaarheid van resultaten uit keuze-experimenten. Ik hoop samen onder anderen met onderzoekers uit de Geesteswetenschappen binnen het NWO programma 'Kwaliteit van leven en gezondheid' onderzoek te mogen uitvoeren naar de conceptualisatie en meting van kwaliteit van leven in bredere zin. Verder zou ik onderzoek naar patiëntpreferenties willen uitbreiden naar voorzieningen die zich nog in de ontwikkelingsfase bevinden, dit om verdere ontwikkeling te informeren en uiteindelijk uitkomsten te optimaliseren. Ik hoop binnenkort in samenwerking met het Oncologiecentrum vorm te kunnen geven aan deze plannen. Verder zou ik samen met het Kwaliteitsinstituut willen bekijken hoe informatie uit patiënt preferentieonderzoek zinvol gebruikt kan worden, bijvoorbeeld in het kader van kwaliteitsstandaarden en meetinstrumenten. Hoewel een 'Zoover voor de Zorg' wat te ver zou gaan, zijn er mogelijk nog andere manieren om informatie uit patiënt preferentieonderzoek op een verstandige wijze bij de consument te brengen. Last but not least blijf ik uiteraard 'gewoon' economische evaluaties en patiënt preferentieonderzoek uitvoeren, samen met zorgverleners. Hoewel dit allemaal mooie plannen zijn, maak ik me wel zorgen over de financiering ervan. Het is een algemene trend dat de subsidiekanalen door de overheid worden dichtgedraaid, zo ook die voor wetenschappelijk onderzoek. Binnen mijn vakgebied heeft dat als consequentie dat vooral de fondsen voor HTA methodologisch onderzoek zijn wegbezuinigd. Het Nederlandse HTA onderzoek heeft echter aantoonbaar internationale uitstraling, draagt bij aan een verbetering van de kwaliteit van economische evaluaties, en daarmee aan de kwaliteit van de gezondheidszorg. We willen heel graag onze kennis valoriseren, maar daarvoor moeten we wel kennis kunnen blijven genereren.

Wat het onderwijs betreft, heeft patiënt preferentieonderzoek inmiddels een stevige plek in de Health Sciences Research Master. Ik hoop delen van dit onderwijs onder te kunnen brengen binnen andere Gezondheidswetenschappen Masters en het Geneeskunde curriculum.

Dankwoord

Gewaardeerde collega's, ik sta hier vandaag mede dankzij jullie. Jullie hebben mij geïnspireerd, ondersteund, met mij samengewerkt en gediscussieerd. Ik hoop maar dat ik mijn *waardering* voor jullie vaak genoeg en voldoende uit. Ik dank allereerst mijn collega's van de afdeling KEMTA. Wat hebben we een mooie combinatie van achtergronden, expertises en persoonlijkheden. Ik ben trots op jullie en waar onze afdeling voor staat. Ik dank mijn oud en huidige promovendi. Samen met jullie ben ik gegroeid en blijf ik naar boven kijken. Ik ben de zorgverleners met wie ik mag samenwerken zeer erkentelijk, een aantal van hen is hier vandaag aanwezig. Jullie komen steeds weer met inspirerende ideeën. Ik wist het al wel, maar raak steeds meer overtuigd: jullie hebben écht het beste voor met patiënten!

Ik kan helaas op dit moment niet iedereen persoonlijk bedanken. Toch wil ik een aantal mensen bij name noemen. Manuela Joore, wij delen onze interesse in uitkomstenonderzoek al jaren. Je bent voor mij een belangrijke inspiratiebron en ik hoop dat we onze discussie nog lang kunnen voortzetten. Brigitte Essers, we hebben samen al meerdere keuze-experimenten succesvol opgezet en uitgevoerd, en ik ben heel blij met jouw inhoudelijke en praktische input. Cecile Utens, veel dank dat je op geweldige wijze handen en voeten geeft aan de ZonMw studie op dit onderwerp. Dank aan een aantal collega's binnen CAPHRI. Silvia Evers. Onze afdelingen werken al jaren enthousiast en informeel samen, en nu zijn we ook formeel partners binnen CAPHRI. Luc Smits, klinisch epidemioloog. Wij werken al enige tijd doeltreffend en prettig samen binnen de Gynaecologie en Obstetrie, en ik hoop dat we nog veel projecten samen kunnen uitzetten. Trudy van der Weijden, wij delen onze interesse in patiëntpreferenties, jij vanuit het individuele perspectief en ik vanuit het collectief. Ik denk dat onze expertises en onderzoek ideeën elkaar mooi aanvullen. Benedict Dellaert van de Erasmus Universiteit Rotterdam. Al jaren ben ik heel blij met onze samenwerking op het gebied van keuze-experimenten; jouw econometrische expertise is al in veel gevallen onmisbaar geweest. Ik dank de Stichting Wetenschapsbeoefening van de Universiteit Maastricht voor het instellen van deze leerstoel. Mijn begeleidingscommissie, bestaande uit Onno van Schayck, voormalig directeur CAPHRI, Martin Prins, hoofd van de afdeling KEMTA en Albert Scherpbier, decaan FHML, bedank ik voor het vertrouwen. Martin Prins, dank dat je mij gesteund hebt in het realiseren van mijn, soms verborgen, ambities.

Familie, en vrienden, wat fijn dat jullie er vandaag ook bij zijn. Ik ben echt geraakt door alle e-mails, telefoontjes, appjes en kaarten. Heel veel dank voor de belangstelling die jullie hebben getoond voor deze dag. Papa, mama en Ingrid, mijn zusje. Daar zitten jullie dan weer, 15 jaar na mijn promotie. Jullie liefde, en bewondering voor mijn werk is grenzeloos, en daar ben ik jullie dankbaar voor. Eindelijk zien jullie me dan in toga!

Lieve Marcel. Wat ben ik blij dat jij in mijn leven bent en de vader bent van mijn kinderen. Ons leven is hectisch en soms is het lastig om ons gezinsleven met onze drukke banen te combineren. Maar je ondersteunt me op allerlei manieren en daar ben ik je dankbaar voor. We zijn nu 20 jaar samen en ik teken heel graag bij voor de volgende 20. Bastiaan en Melchior, mijn lieve, vrolijke, en eigenwijze kereltjes. Ik ben blij dat jullie hier vandaag zijn, ook al realiseer ik me dat 3 kwartier voorgelezen worden uit een onbegrijpelijk boek met saaie plaatjes voor jullie een hele opgave was. Iedere dag met jullie is een feest, zelfs als het even geen feestje lijkt. Door jullie ben ik een gelukkiger mens geworden. Over kwaliteit van leven gesproken!

Ik heb gezegd.